

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Fenfluramin (Fintepla) til Lennox-Gastaut syndrom

Medicinerådet anbefaler ikke fenfluramin til behandling af epileptiske anfald forbundet med Lennox-Gastaut syndrom som tillægsbehandling til andre antiepileptiske lægemidler hos patienter over 2 år.

Om Lennox-Gastaut syndrom

Lennox-Gastaut syndrom (LGS) er en sjælden og alvorlig form for epilepsi, som typisk starter i 3-5-årsalderen og medfører hyppige epileptiske anfald, ofte flere gange i døgnet. Sygdommen er ofte ledsaget af udviklingshæmning og behov for konstant overvågning og livslang specialiseret behandling. Formålet med fenfluramin er at reducere antallet af epileptiske anfald.

Fordele ved fenfluramin

Kliniske studier viser, at tillæg af fenfluramin til den eksisterende behandling hos mange patienter kan reducere antallet af dropanfald, dvs. anfald, hvor personen pludseligt mister muskelkontrollen og kan falde om uden varsel. Hos ca. hver tredje patient halveres antallet af dropanfald, og omsorgspersoner angav, at den samlede helbredstilstand var meget forbedret hos en tredjedel af patienterne. Medicinerådet har estimeret en sundhedsgevinst på ca. 0,2-0,4 QALY i form af en forbedret livskvalitet og forlænget levetid.

Ulemper ved fenfluramin

Fenfluramin kan give bivirkninger hos nogle patienter, hvoraf nogle kan være alvorlige. Bivirkningerne er anderledes men ikke mere alvorlige end for andre epilepsibehandlinger.

Omkostninger

Da fenfluramin doseres efter patientens vægt, er der stor forskel på udgifterne mellem børn og voksne. Et års forbrug af fenfluramin koster mellem ca. 140.000 kr. og 450.000 kr., alt efter hvor meget patienten vejer. Tallene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlet. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

For at estimere sundhedsgevinsten i form af QALY er der brugt en metode, hvor raske personer vurderer, hvordan det ville være at leve med sygdommen (vignette-studie). Det er uvist, hvor godt dette afspejler patienternes oplevede livskvalitet, og den estimerede sundhedsgevinst kan være større eller mindre.

Medicinerådets samlede vurdering

Medicinerådet vurderer, at fenfluramin kan være en behandlingsmulighed for nogle patienter med Lennox-Gastaut syndrom. Behandlingen kan reducere antallet af alvorlige anfald og forbedre livskvaliteten for nogle patienter. Der er dog stor usikkerhed om, hvor stor sundhedsgevinsten reelt er. Fenfluramin er dyrere end den eksisterende behandling, og Medicinerådet vurderer, at meromkostningerne ikke er rimelige i forhold til sundhedsgevinsten. Omkostningsniveauet imødekommer dermed heller ikke i tilstrækkelig grad de usikkerheder, der er ved behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke fenfluramin som mulig standardbehandling til patientgruppen.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	UCB Nordic
Dosis og administrationsform	Medicinen gives som en flydende opløsning, der drikkes. Dosis afhænger af patientens vægt, men kan være op til 0,7 milligram per kilo kropsvægt om dagen.
Hvad kendetegner sygdommen?	Lennox-Gastaut syndrom (LGS) er en sjælden og alvorlig form for epilepsi med hyppige epileptiske anfald, ofte flere gange i døgnnet. Sygdommen er ledsaget af udviklingshæmning og behov for konstant overvågning og livslang specialiseret behandling.
Hvilke patienter sættes i behandling?	LGS starter typisk i 3-5-årsalderen. Der forventes lige nu at være ca. 176 patienter, som vil være egnede til behandlingen.
Hvad er den forventede restlevetid/prognose og livskvalitet?	Udviklingsforstyrrelserne bliver ofte værre med tiden, og i løbet af fem år har størstedelen af patienterne (75-99 %) alvorlige udviklingsforstyrrelser. Personer med LGS har en 14 gange højere risiko for at dø end den øvrige befolkning.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med en række forskellige lægemidler mod epilepsi. Der startes med ét lægemiddel, og hvis det ikke er tilstrækkeligt, tillægges yderligere lægemidler. De fleste patienter får adskillige lægemidler samtidigt og har på trods af dette fortsat mange anfald. Fenfluramin gives i tillæg til patientens eksisterende behandling.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen er baseret på et studie, som sammenligner fenfluramin i tillæg til den eksisterende behandling med placebo i tillæg til den eksisterende behandling.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet	0,14 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> 0,18 – 0,35 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet i én enhed.) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad koster fenfluramin?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed. Listepris (AIP): ca. 462.000 kroner for et typisk behandlingsforløb på 2,5 år <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet ved fenfluramin?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed. Listepriser (AIP): ca. 462.000 DKK <i>Estimeret merudgift per patient, hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed. Listepriser (AIP): 1,3 – 2,6 mio. kroner per QALY <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger per vundet QALY ved brug af det vurderede lægemiddel. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af lægemidlets effekt for patienterne og omkostningseffektivitet for sundhedsvæsenet, sammenlignet med den eksisterende behandling i det danske sundhedsvæsen. *Medicinrådets vurdering af fenfluramin som tillæg til behandling af Lennox-Gastaut syndrom* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	29. oktober 2025	Godkendt af Medicinrådet.